



## CONCILIAR EFICIENCIA Y EQUIDAD. MEDICAMENTOS HUÉRFANOS PARA ENFERMEDADES RARAS

### RESUMEN

Los pacientes con enfermedades raras (incidencia menor a 5 por 10 mil) han merecido escasa atención de la industria farmacéutica. En parte por los condicionantes comerciales de una demanda por definición reducida y precios, al parecer, inevitablemente elevados. Otra parte puede tener que ver con aspectos institucionales de unas autoridades sanitarias que exigen métodos estándares de evaluación para medicamentos que muy difícilmente pueden satisfacerlos. No digamos ya la dificultad de autorizar precios medios elevados para mercados tan reducidos.

La compasión que despiertan los enfermos con estas raras patologías parece suscitar en la ciudadanía valores sociales muy favorables para los medicamentos huérfanos puestos a disposición. Porque una patología "rara" no es sinónimo de desconocida, ignorada o desatendida. Francia y Holanda son los países que más han adaptado sus procesos de evaluación a las peculiaridades de este tipo de medicamentos. El consejo consultivo ciudadano del NICE en inglés, que acepta bien los criterios de coste utilidad, no lo hace cuando genera discriminación por edad -excepto cuando ésta sea un indicador de beneficio o riesgo-, los roles sociales,

renta, procedencia étnica, clase social, género, orientación sexual o responde a daño autoinfligido. NICE no tiene claro aún qué hacer con la regla del rescate (la cercanía a la muerte), pero favorece dar una consideración especial a las innovaciones que suministren mejoras en salud para condiciones anteriormente no tratadas. Valores sociales altos pueden así compensar costes incrementales elevados. En consecuencia, se lo está pensando, aunque los estándares económicos (los valores para los AVACs en los ratios de coste efectividad incremental hoy exigidos) parecen excesivos, dado que es común que no existan muchas alternativas de tratamiento, las escalas de beneficiarios afectados y el hecho de que la evidencia disponible en el momento de su evaluación puede estar muy por debajo de la relativa a las enfermedades comunes.

¿Quién se arriesga pues a investigar en algo que puede que en el momento de su evaluación esté condenado a fallar? Para ello el *Pharmaceutical Benefits Advisory Committee* de Australia incorpora ya explícitamente otros factores que pueden facilitar su aceptación, como (i) la gravedad de la condición; (ii) la disponibilidad

de alternativas, y (iii) el coste para el paciente en caso de que el medicamento quede fuera de reembolso público. La *Haute Autorité de Francia* -nombrada por el Senado y presidida por la economista de la Salud Lise Rochemaix- parece apuntar en la misma dirección.

En este contexto se propone una agenda de investigación sobre estos temas. Incluyendo favorecer un registro de pacientes para acumular un mejor conocimiento sobre la efectividad y valor social del tratamiento, con partenariados que sigan esquemas de riesgo compartido (en los que el reembolso final se determina según la evidencia a largo plazo de los efectos). Los autores favorecen una aproximación basada en la equidad de acceso y el marco europeo como garantía política. Para su justificación, la ley de los grandes números para la evidencia del contraste deseable y un pool de riesgo financiero mayor.

### Comentario

La cuestión tratada tiene interés: eficiencia y equidad parecen aquí muy contrapuestas. Por definición unos pocos se benefician de los medicamentos huérfanos, a costes de R+D+i estándares para la industria farmacéutica. Ensayos aleatorios muy complejos, evidencia reducida, anclajes territoriales cuando el origen de la enfermedad es genético, etc. En este contexto, la situación española se mueve hoy en los siguientes derroteros. Una Federación de 134 asociaciones de pacientes, que agrupa 700 enfermedades diferentes, actúa como grupo de presión con el apoyo a menudo de sociedades científicas colateralizadas. El argumento acostumbra a ser el de las desigualdades en salud que la falta de atención a las enfermedades raras provoca en los sistemas públicos de salud. El Ministerio respondió con la creación de un Instituto sobre enfermedades raras, afiliado al Carlos III, que ofrece servicios de información y orientación, y un plan de acción para la investigación. El coste del medicamento, en su caso, eso sí, está a cargo de las CC.AA. La Federación se queja en este terreno de desigualdades regionales, cómo no, y a falta de un patrón claro, se requiere que la alternativa de asistencia sea el máximo común denominador. O sea que complicado tanto para la regulación como para la financiación (sostenibilidad y prioridades, relativas a otras enfermedades menos identificadas y de mayor espectro).

Los economistas de la salud tendemos a observar el NICE y a tomar posiciones en relación con las suyas, pero aún no se ha tenido que pronunciar en ningún caso concreto. Lo más probable es que el Departamento de Salud busque un procedimiento diferenciado, especialmente para las enfermedades ultra-raras. En algunos países, la dispensación hospitalaria supone ya matizaciones a los programas de dispensación ordinarios, por su carácter compasivo, su complejidad y sus requerimientos de seguimiento médico. En general, los hospitales disponen de casi plena discrecionalidad en países como Alemania o Suecia, si ésta

es la vía de suministro del medicamento huérfano. En España éste es a menudo el caso. No es tanto un problema de autorización por dispensación hospitalaria como de quién soporta los costes (a menudo en la cuenta de resultados de los hospitales, con el consecuente disgusto de gerentes).

La Unión Europea parece favorecer claramente en sus recomendaciones criterios de aceptación para este tipo de medicamentos que se alejan del coste efectividad convencional de las Agencias de Evaluación. La idea de construir un EURONICE contempla este tipo de evaluaciones sustraíbles técnicamente de la decisión de los estados nacionales como una oportunidad de poner una pica en Flandes. Una estandarización favorable para este tipo de patologías sería ciertamente muy visible para la Europa social non-nata y justificable desde la equidad de acceso, aunque las consecuencias de tal precedente en otros órdenes de cosas no se ven muy claras.

**Guillem López Casasnovas**

Universitat Pompeu Fabra

### REFERENCIAS

Drummond M, Wilson D, Kanavos P, Ubel P, Rovira J. *Assessing the economic challenges posed by orphan drugs*. *International Journal of Technology Assessment in Health Care* 2007;23:136-42.